

构建中国医药创新生态系统

系列报告第一篇:2015-2020年发展回顾及未来展望



中国医药创新促进会

中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC)

2021年3月

VISIT...

LANZAROTE
Caliente.COM

前言

世界正经历百年未有之大变局，新一轮科技革命和产业变革深入发展，中国在“十四五”时期将进入新发展阶段。创新在五大新发展理念中被置于首位，国家已明确将强化战略性科技能力列为2021年工作重点，“坚持创新驱动发展”将成为中国未来五年乃至中长期的核心战略。经过新冠疫情全球流行与防控的洗礼，医药创新水平在控制疫情、恢复经济中的重要作用更加凸显，医药创新能力是国家综合实力的重要组成部分和不可或缺的强国要素。

2015-2020年是中国医药创新生态系统建设浓墨重彩的五年。2008年启动的“重大新药创制”科技重大专项展示了政府推动医药大国向医药强国转变的决心，激励大批科技人员投身药物创新研发，创新成果斐然；政府投入催化了社会资本投资，为创新源头注入活力。2015年《国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》和2017年中共中央办公厅和国务院办公厅《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》明确顶层设计，为理念转变和机制创新指明了方向：转化政府角色，坚持开放与国际接轨，鼓励社会力量参与，加强社会共治，明确知识产权重要性。药品审评审批制度改革及医保药品目录调整等政策制定和落实，是两办文件精神的有效实践，切实改善了生态系统各要素的政策环境。2015-2020年中国医药创新生态系统初步形成，医药创新产业蓬勃发展并与全球创新产业链不断融合。

当前疫苗和有效治疗药物的开发已成为重启经济和疫情防控的关键点，医药产业在全球范围内承载着前所未有的重任，也让“健康”、“创新”、“合作”等关键词成为世界关注的焦点。中国成功研发上市的新冠疫苗全球瞩目，已在多个国家助力抗疫，世界正在以新的视角看待中国快速崛起的医药创新实力和对全球公共卫生的潜在贡献。这必将进一步提升中国在国际医药创新领域的话语权，推动中国与国际科技交流合作，并融入全球创新网络，使中国成为全球科技开放合作的舞台。

中国对科技发展的指导思想从2016年的“三个面向”到2020年“四个面向”的跨越，标志着“面向人民生命健康”已经上升到与“面向世界科技前沿”“面向经济主战场”“面向国家重大需求”同样高度。医药创新对提升人民生命健康水平至关重要。未来五到十年，癌症和心脑血管疾病、糖尿病、呼吸系统疾病等慢病的疾病负担将愈发沉重；而新冠疫情的爆发，再次提醒我们传染病的威胁仍将长期存在。因此，提高癌症、慢性病、传染病这三大类疾病的防治将切实改善全民健康水平，也是创新药行业助力实现“健康中国2030”目标的重要切入点。

中国正处于从医药制造大国向医药创新强国迈进的重要历史节点，需要登高望远、乘势而上，通过更深层次改革、更高水平开放及国际合作实现更高质量发展，从过去第三梯队的“跟跑”，到现今第二梯队“并跑”，向未来第一梯队的“领跑”进发，以医药创新强国的姿态，推进人类健康共同体的建立。

2021年伊始，两家医药行业协会启动系列报告，深入研究如何继续推进中国医药创新生态系统构建进程。本报告为系列报告的第一篇，聚焦于回顾过去五年中国医药创新生态系统建设，包括系统梳理生态系统建设的举措和进展，全面评估医药创新产出和全球竞争力。后续报告将在回顾与评估的基础上阐述未来五年中国医药创新生态系统的提升方向和具体建议。

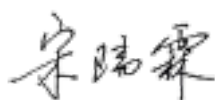
本报告得到了顾问委员会专家的悉心指导，对于各位专家给予本项目的宝贵建议，在此表示衷心的感谢。

中国医药创新促进会

会长任晋生

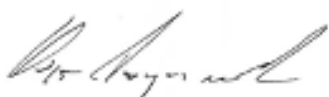


执行会长宋瑞霖



中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC)

执行委员会主席安思嘉



执行总裁康韦



顾问委员会

陈凯先

中国科学院院士、中国科学院上海药物研究所研究员、上海中医药大学学术委员会主任

葛均波

中国科学院院士、复旦大学生物医学研究院院长、上海复旦大学附属中山医院心内科主任

蒋华良

中国科学院院士、中国科学院上海药物研究所研究员、学术委员会主任

王拥军

首都医科大学附属北京天坛医院院长

胡善联

复旦大学公共卫生学院卫生经济学教授

刘国恩

北京大学中国卫生经济研究中心主任、北京大学全球健康发展研究院院长

张宗久

清华大学医院管理研究院常务副院长

目录

第一章	1
构建中国医药创新生态系统的战略意义	
第二章	2
政策环境显著改善推动创新	
第三章	5
资本投入助力医药创新	
第四章	6
创新主体能力升级带动创新	
第五章	9
中国医药创新产出“量”增已至，“质”升可期	
第六章	11
2021-2025年医药创新生态系统建设展望	

第一章

构建中国医药创新生态系统的战略意义

大力发展医药创新是创新发展驱动的国家战略；是医药产业从仿制药到创新药、从医药大国到医药强国转型的必要条件；是实现“健康中国2030”宏伟目标、患者获益的保障手段。2008年国家即启动了“重大新药创制”科技重大专项，投入数百亿人民币支持新药创新；2012年，生物医药被列为国家七大战略性新兴产业之一。但时至2015年，中国医药创新的发展却仍然面临一系列深层次挑战：创新产业链各环节能力薄弱，创新药上市数量少且上市后可及性低，市场回报有限，不足以激励资本投入；中国对全球研发管线产品数量的贡献约为4%¹，处于医药创新的“第三梯队”。

从全球格局来看，随着生命科学基础研究的突破性进展，医药产业发展和创新已成为战略制高点。2011-2015年间，医药创新第一梯队的美国、第二梯队的英国和日本等国家纷纷出台国家层面的顶层设计来指导医药创新产业的加速发展，确保监管和政策环境与科技同步发展。

中国医药创新在2015年面临着历史性的机遇、升级的全球竞争和相对薄弱的基础，问题复杂而艰巨。而医药研发本身具有周期长（从研发到上市平均需要10年）、风险高（只有不到8%的研发成果从临床I期可以转化成药品上市²）、投资大（考虑到风险，成功研发一个新药的平均投入约为170亿元³）的特点。大力发展医药创新需要的不仅是政府资金支持或单项政策出台，而是国家层面清晰的顶层设计，并在产业链各个环节（基础研究、临床研究、监管审批、支付）建立起科学的理念、完善的政策机制以及参与各方的强大的能力作为支撑。构建中国医药创新生态系统势在必行。

五年的时间对于一个创新药物而言，通常还不足以完成研发上市的全周期；而在2015-2020年间，中国建成了一个相对完整的医药创新生态系统。政策、资本、能力相互作用、良性循环；创新主体充满活力，吸引资本的持续投入；参与者多样化，本土与跨国药企、生物科技公司、投资者、学术界、监管方广泛协作，并紧密沟通共同推动体系的完善。2020年，中国对全球医药研发的贡献跻身“第二梯队”前列，其中中国对全球研发管线产品数量的贡献跃至约14%，在全球排名第二，仅次于美国。

¹ 2016年10月《构建可持续发展的中国医药创新生态系统》报告

² BIO, Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011-2020

³ Tufts Center for the Study of Drug Development, Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs. J Health Econ. 2016 May;47:20-33.

第二章

政策环境显著改善推动创新

明确生态顶层设计, 推动理念机制变革

2015年《国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》和2017年中共中央办公厅和国务院办公厅《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》(以下称《两办文件》)对医药产业创新发展具有里程碑意义。文件明确了顶层战略, 统筹考虑医药创新各环节所需要的支持, 确保跨部委协作和法律法规的系统性和一致性。文件为一系列的理念转变和机制创新指明了方向。一是**转化政府角色**, 减少行政审批, 在保障安全性的前提下将更多责任赋予企业、机构和市场。如将临床试验申请由审批制改为到期默认制, 临床试验机构资格认定实行备案制。二是**转变创新理念**, 建立监管科学体系与能力, 科学看待药品研发本身的风险。如不断优化流程加快审评审批, 对临床急需药品可附带条件批准上市, 完善技术审评制度。三是**坚持开放和与国际接轨**。原国家食品药品监督管理局2017年加入ICH⁴并于2018年成功当选管委会成员, 逐步实施国际最高技术标准和指南, 显示了中国提升制药产业创新能力和国际竞争力极大的决心。四是**鼓励社会力量参与和市场竞争**, 通过鼓励社会力量投资, 建设临床试验机构, 拓展机构数量, 满足快速增长的临床试验需求。五是**明确知识产权保护对鼓励医药创新的重要性**, 提出探索建立药品专利链接制度和专利期延长保护, 完善药品试验数据保护。六是**强化过程监控和全周期管理**。如明确药品上市许可持有人作为药品全生命周期的责任主体。七是**加强沟通机制和社会共治**。在政策制定过程中, 加强政府和监管机构与行业协会及产业的沟通与交流, 增强决策过程透明度; 在政策执行中, 及时收集行业反馈, 将沟通机制常态化。

健全法律保障体系, 鼓励保护创新成果

2019年新修订的《药品管理法》施行, 总则中明确了鼓励创制新药的大方向, 支持以临床价值为导向的药物创新。建立上市许可持有人制度, 落实药品生命周期的主体责任, 推动资源配置的优化。增加了多项条款以及制度举措加快新药上市。新法在药品安全的监管处罚方面加大了力度, 强化了药品全生命周期管理。

2020年新修订的《专利法》通过, 引入与国际接轨的药品专利期补偿制度, 对创新药因审评审批占用的上市时间给予适当的专利期限补偿。同时对药品专利链接(申请上市的仿制药与其所仿原研药的链接)做出安排, 规定了药监和专利部门共同制定药品上市审批与许可申请阶段解决专利权纠纷的衔接办法, 建立起药品专利纠纷早期解决机制。

⁴ 国际人用药品注册技术协调会; The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use

制定落实鼓励政策，持续改善创新要素

1. 监管审批

审评审批制度改革的一系列举措和配套方案是《两办文件》精神的有效实践。依据2016-2017年出台的优先审评审批政策得以加快批准上市的品种由2016年的7个增加到2019年的82个品种。在2020年新版《药品注册管理办法》中明确规定四个新药上市注册加速通道，包括突破性治疗药物、附条件批准、优先审评审批和特别审批程序。在2015年前中国新药的批准时间普遍较美国晚5-7年，临床试验审批时间曾是严重制约新药审批速度的环节；2018年临床试验60天默许制和临床试验I至III期试验一次性审批制为提升临床试验效率带来了质的飞跃。一系列加快药品审评审批制度改革的政策“组合拳”，将新药审批时间大大缩短，使得新药实现境内外同步注册上市成为可能。2008年实施的国家新药创制重大专项和2015年开始的药品审评审批制度改革直接导致了过去五年中国上市获批新药数量的大幅提升，十三五期间（2016-2020年）获批上市的创新药总数达到了200个（包括境内外均未上市的创新药和生物制品，和境外已上市、境内未上市的原研药品和生物制品）。

监管制度逐步与国际接轨。2017年原国家食品药品监督管理局加入ICH并于2018年成功当选管委会成员。ICH发布的技术指南不仅在其成员间运用，也被许多非成员国家药品监管机构接受和转化，成为药品注册领域重要的国际规则制订机制。加入ICH并成为管委会成员，大力推动了中国药品注册标准的科学化发展，加快了药品注册技术要求与国际要求的协调和统一。对于提升药品监管能力和水平同时提升中国医药产业的国际竞争力具有重要意义。中国医药创新促进会和RDPAC作为国际制药商协会联合会（IFPMA）的中国创新产业代表，积极参与了ICH技术指南的制定以及在中国的本土实施转化工作。截至2020年11月，已有54名业内专家被推荐至18个ICH工作组参与ICH技术指南的制定工作，其中17位代表担任组长，10位担任候补组长，同时有149名业内专家被推荐至国家药监局数十个ICH工作组。

加强审评能力，推进监管科学发展。国家药审中心审评员2015年底只有150人左右，到2018年已增加至700人左右；同时搭建了由626名外聘专家组成的评审专家团（包括35名院士）。在监管审批上，紧密围绕药品审评审批“科学监管”、“公平公正”、“公开透明”的管理原则，基于科学和风险的评估理念，不断提高和完善审评审批的质量和效率。

2. 临床研究

支持医院、机构与人员开展临床试验：将临床试验条件和能力评价纳入医疗机构等级评审，对开展临床试验的医疗机构建立单独评价考核体系，鼓励医疗机构设立专职临床试验部门，完善临床试验相关激励机制，从而提升参与临床试验的积极性，临床机构和研究者队伍的能力随经验积累而得到加强。

临床试验机构资格认定实行备案管理：长期以来资格定制对药物临床试验机构数量、试验能力等方面存在着制约。将临床试验机构从资格定制转变为备案制，极大释放了医疗机构参与临床试验的能力与热情，临床试验中心数量由2015年的375家增长到2019年的1,072家。

3. 支付保障

改善基本医疗保险中的创新药支付报销机制。城镇职工与城乡居民医保筹资从2015年的1.4万亿元增加到2019年的2.3万亿元。医保药品目录更新频次不断提升，从2017年前八年一次的目录更新，到2020年实现对创新药每年一次调整；2020年国家医保局将参与谈判的新药准入时间放宽至医保目录调整政策公布之日，实现了创新药当年批当年谈的巨大进步；同时药品纳入机制持续优化，谈判药品对象由专家提名确定演变为公司自主申请，增加企业沟通交流渠道和申诉机制等。医保目录调整机制的优化使得创新药得到更广覆盖和更快纳入，患者可及性得以提升。对于2017年纳入医保目录的31个西药药品，从上市到纳入医保平均时间为7.8年；而对于2020年谈判纳入医保目录的66个西药药品，从上市到纳入医保平均时间降为3.7年，其中14个药品是在2020年当年在中国获批上市。

构建多层次医疗保障体系。商业健康险作为多层次保障体系的重要部分，过去五年得到快速发展。商业健康险的原保费收入从2015年的2410亿元增长为2019年的7066亿元，多种形态的报销型商业健康险产品对创新药的支付起到了补充作用。

4. 基础研究

鼓励科技成果转化法律、政策和方案连续出台。首先，修订《促进科技成果转化法》，完善法律条款；其次，制定《实施〈促进科技成果转化法〉若干规定》，明确配套细则；第三，通过《促进科技成果转移转化行动方案》，部署具体任务。通过“三部曲”，明确政府、科研机构、研究人员的关系，把科技成果的使用权、处置权、收益权下放给科研机构。

5. 药品知识产权保护

国家药品监管部门与国务院专利行政主管部门合作主动征求产业和学术界专家意见，落实专利链接制度和专利期延长保护工作，完成《专利法》相关条文修订并为其其他相关法规的起草制定做好准备。

第三章

资本投入助力医药创新

“重大新药创制”科技重大专项对于推动中国研发跨越式发展、实现由医药大国向医药强国转变方面起到了重要的引领和催生作用。作为中国中长期科技发展计划的重要组成部分，“重大新药创制”科技重大专项于2008年启动，通过十一五和十二五期间的“铺”和“梳”，初步建立起创新研发平台和共性技术平台；十三五期间以“培育重大产品、满足重点需求、解决重点问题”，实现“突”的跨越。专项三个阶段的实施到2020年收官，中央财政共投入233亿元，对3000多个课题提供了支持，针对10类重大疾病自主创新品种成果斐然。政府对于医药创新的持续投入，有助于激发医药科技工作者的创新积极性，紧跟新一代医药创新技术的全球步伐。

政府资金投入和政策环境改善极大地调动了社会资本投入创新药的积极性。中国医药医疗领域的风险投资和私募基金投资2015年仅有120亿，到2020年增长了15倍达到了1,850亿（其中三分之一聚焦新药研发）⁵。自2016年起召开的“中国医药创新与投资大会”作为在亚太地区具有影响力的医药创新界与投资界的合作平台，展示了资本和创新力量结合的成果。

投资者对于中国创新药企业和市场潜力的认可也体现在中国医药创新企业的上市数量和市值的增长上。2020年共有超过20家中国生物科技公司上市，在科创板、港交所、纳斯达克上市的中国生物科技公司的总市值从2016年的不足百亿快速上升到2020年底的过万亿。资本市场对中国医药市场和中国生物科技公司的发展前景普遍看好，2020年全球生物医药企业市值排行榜⁶显示，中国有六家上市公司进入全球医药企业市值前五十名：恒瑞医药、豪森药业、药明生物、中国生物制药、石药集团和百济神州。

在当前社会资本对创新药的投资热潮中，需要着眼长远，从投资拉动到市场回报支撑转化，以确保医药创新产业的可持续性。创新药研发投资巨大（不考虑风险，单个创新药物的平均研发成本高达15亿）。新药上市后，若因为市场准入、定价支付、知识产权保护等因素不能及时获得合理经济回报，会严重打击投资者和企业对于研发投入的积极性。医药创新产业的可持续性发展与完善的创新药支付体系和知识产权保护体系息息相关。

⁵ ChinaBio, 2020 China Life Science Investment Hits New Records

⁶ Endpoints News 2020年3月公布数据

第四章

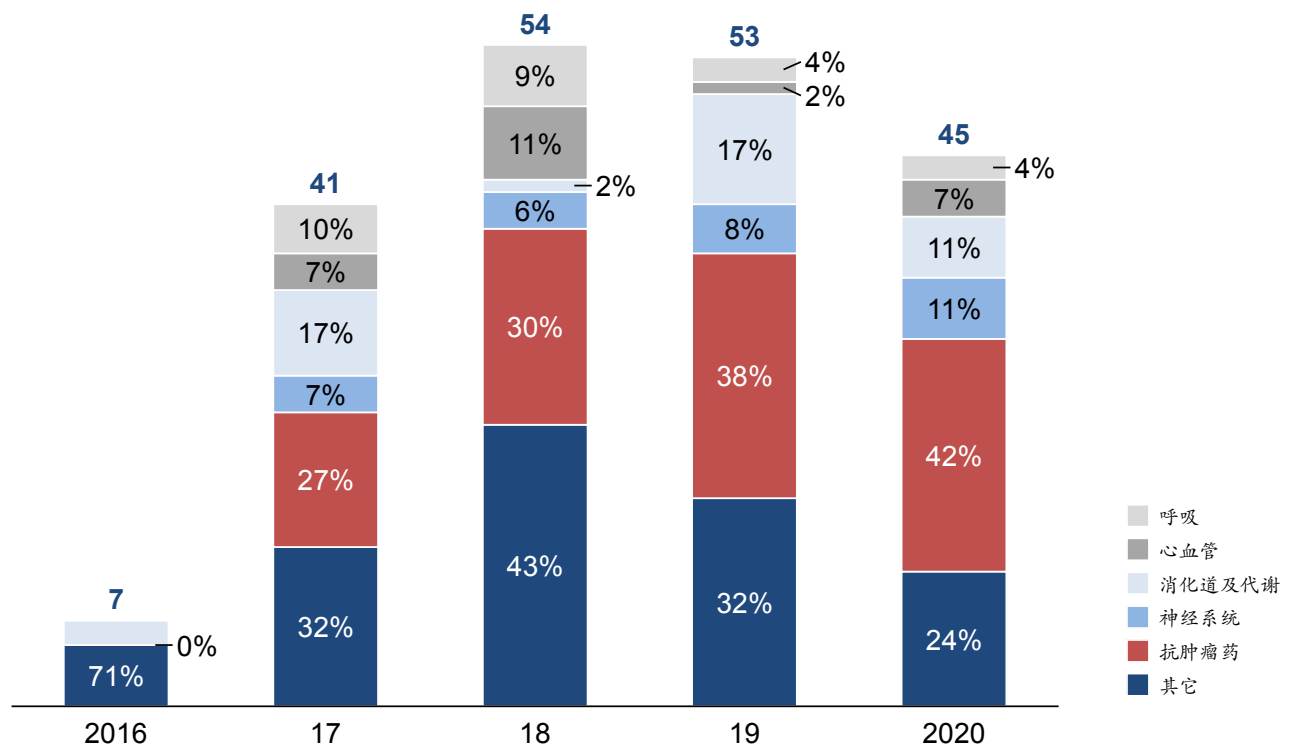
创新主体能力升级带动创新

本土与跨国药企研发上市新药，聚焦中国病患未满足的临床需求

过去五年来，中国共上市200个创新药产品，聚焦在中国疾病负担最大和增速最高的疾病领域，针对中国患者未满足的临床需求，包括肿瘤、消化道及代谢、呼吸、心脑血管等慢病（图1）。

图1: 2016-2020 年中国上市的创新药，聚焦疾病负担最大和增速最快的几大疾病领域

中国获批上市的创新药¹



1. 包括境内外均未上市的创新药和生物制品，和境外已上市、境内未上市的原研药品和生物制品
 资料来源：GBI

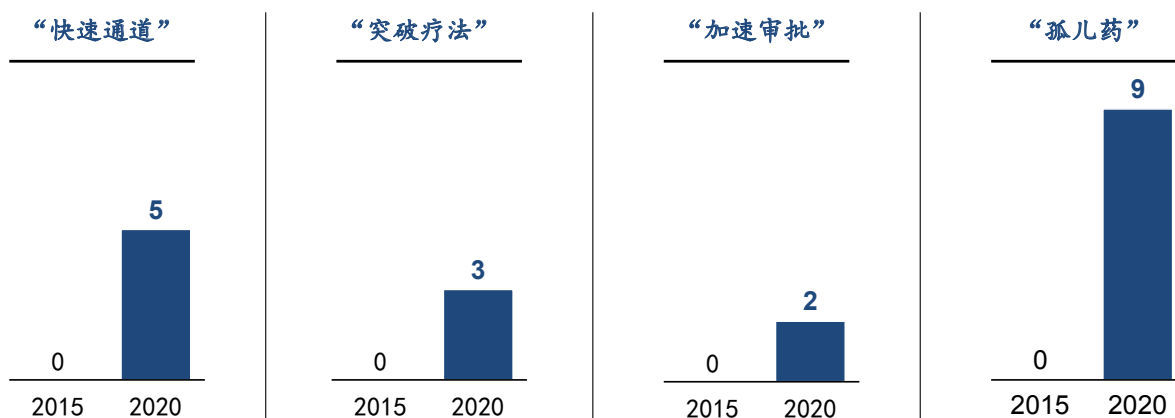
本土药企构建自主研发体系，本土新药走向国际实现突破

多家大型本土药企每年研发费用达到10亿元以上，研发投入占营业收入比10%以上。领先本土药企在海内外建立多个研发中心，建立完整的自主创新体系。过去三年本土药企研发上市的I类新药逐步增加，分别达到了10个（2018年）、12个（2019年）和15个（2020年）。新冠疫苗研发也向世界展示了中国医药创新能力。至2021年2月，中国疫苗研发5条技术路线并行推进，7款进入III期临床，4款获批附条件上市；中国自主研发的新冠疫苗的海外订单已超过5亿剂，超过50个国家和地区提出购买需求，体现中国疫苗的有效性和安全性获得国际社会高度认可。

中国药企开展的国际多中心临床试验数量上从2015年的48项增加到2019年的131项⁷；覆盖地区上从2015年的14个增加到2019年的51个国家。中国创新药企研发药物获得美国食品药品监督管理局（FDA）多项加速审批与孤儿药资质（图2）。其中百济神州自主研发的抗癌新药泽布替尼，在多项加速认证的助推下，成为第一个在美国获批上市的中国公司自主研发创新药。此外，重磅授权合作也推动了中国创新药走向全球市场。2020年代表性案例包括信达生物授予礼来PD-1单抗达伯舒中国以外地区商业化权益，天境生物授予艾伯维CD47单抗TJC4中国以外地区临床开发和商业化权益等。

图2：中国医药创新逐步获得海外监管机构认可，迈出国际化步伐

获得美国FDA各项创新疗法认证的中国创新药数量



资料来源：文献检索

⁷ Clinicaltrials.gov

跨国药企升级中国研发中心为创新中心，展开广泛本土合作

跨国药企中国研发从以注册新药实现上市销售为目的转变为与欧美同步开展研发的创新基地。跨国创新药企已在中国设立了25个研发中心，每年在华研发投入超过120亿元⁸，中国研发中心成为跨国药企全球创新药研发的重要组成部分，并在中国培养了大批本土研发人才。例如，投资8.63亿元的罗氏上海创新中心落成，成为罗氏全球第三大战略中心，未来将把基于中国的研发成果带向全世界；赛诺菲在苏州设立在中国的首个全球研究院，预计未来五年每年投资额达到1.6亿元；早在2005年就在上海设立的辉瑞研发中心，从以职能部门为主的支持性角色，到参与辉瑞全球创新药研发。

跨国药企中国研发中心与国际各研究机构、各领域专家紧密合作，有中国参与的创新药临床研究不断增加，通过参与全球同步开发引进新药的模式逐步实现。例如，抗纤维化治疗药物乙磺酸尼达尼布软胶囊三项新适应症，都在中国实现了全球同步递交，并基于有中国患者参加的III期国际多中心临床试验结果在中国获批。

跨国药企积极开展多元化的创新合作模式，与高校、科研机构以及生物科技公司等合作发现新技术和新疗法；通过授权许可交易，加大与本土药企在研发上的合作力度；通过投资基金，更早介入中国本土创新药物的研发前沿。例如，强生在上海落成JLABS，是强生第一个在北美以外建立的孵化器，提供高效灵活的创新平台；诺和诺德在北京建立INNOVO平台，与中国本土科研机构与初创企业协同创新；阿斯利康在无锡落位I·Campus，与政府合作共建生命科学产业园。2020可被称为中国创新国际化的历史元年，本土企业与跨国药企的合作数量（超过80多项）、规模和质量都达到了前所未有的高度。

临床研究能力提升

顶级临床期刊发表文章数增加：中国专家在顶级医学期刊《柳叶刀》及《新英格兰医学杂志》发表文章数量呈增长趋势，从2015年的137篇增长为2020年的302篇。

参与临床的主要研究者数量增加：2017年至2019年，累计约1300名中国研究者参加了临床试验，10%的中国研究者参与过至少一个国际多中心临床试验。以肿瘤为例，中国主要研究者在美国临床肿瘤学会年会做口头报告的次数从2015年的1次增加到2019年的6次。

基础研究成果增加

基础科研顶级刊物发文数量持续增长：由中国研究团队主导或共同主导发表在《自然》、《科学》、《细胞》三大学术期刊上的研究性论文数量2020年达到150篇。

中国的医药创新相关专利申请数量位居世界前列。根据世界知识产权组织发布的《世界知识产权指标》统计，在2015-2019年间，中国生物技术专利申请数达9500件，药品专利申请数达18800件，医疗技术专利申请数达16600件，均位列全球前两位⁹。

⁸ RDPAC截至2020年6月数据

⁹ WIPO, Intellectual Property Statistics

第五章

中国医药创新产出“量”增已至，“质”升可期

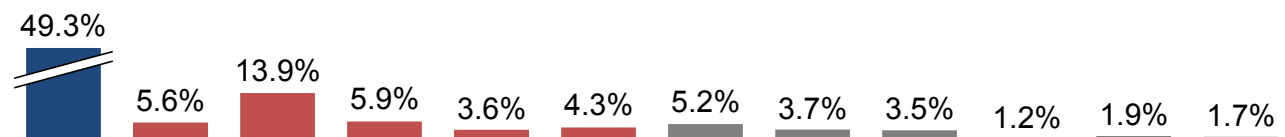
量：创新管线贡献全球第二，首发上市新药全球第三

对医药创新数量及对全球的贡献衡量包括研发管线产品数量和全球首发上市新药数量两个指标。以研发管线产品数量衡量(根据2020年2月研发状态处于临床前、临床I至III期及上市注册前的分子数，按研发公司总部所在国分类)，中国对全球贡献占比已达到13.9%，而这一贡献比例在2015年只有4.1%，2018年为7.8%。2020年中国已经稳居第二梯队之首，而且与第一梯队美国的差距有所缩小（美国2020年占比49.3%）。

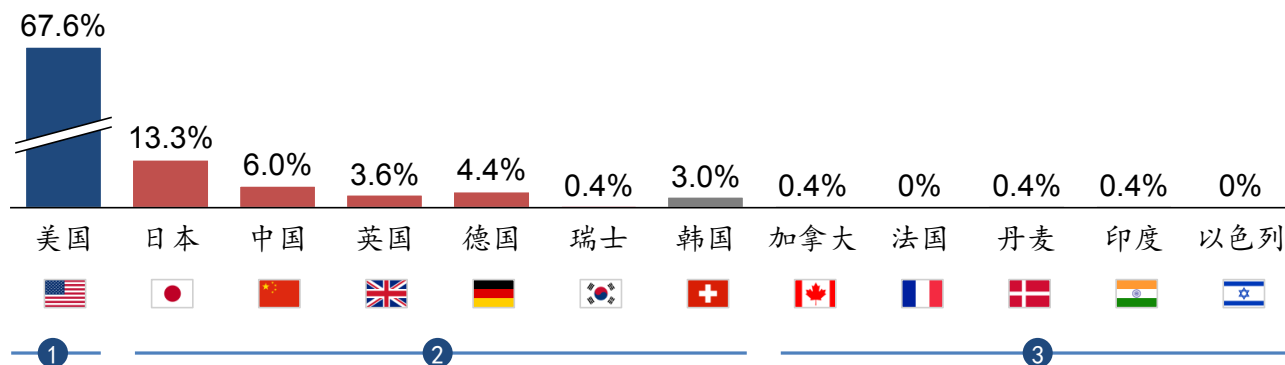
以全球首发上市新药数量（2015-2019，只计入新分子实体）衡量，中国在12个主要对标国家中位列全球前三，占比6.0%，而这一贡献比例和历史水平比也有所提高（2007-2015年只有2.5%）。尽管在创新药数量贡献上中国呈现良好的势头，中国与排在首位的美国（占比67.6%）和第二名的日本（13.3%）还有明显差距（图3）。

图3：中国医药创新在研发管线和上市新药的数量指标上位居全球“第二梯队”前列

研发管线产品数量¹



首发上市新药数量²



1.2020年2月处于临床前、临床一期至三期，及注册前的管线数量，以公司总部所处国家分类

2.2015-2019全球首发市场占比，仅包括新分子实体

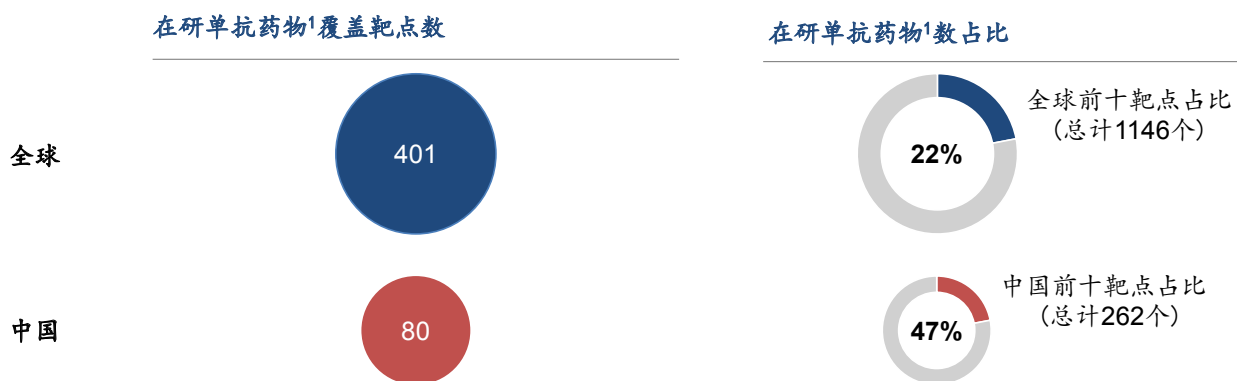
资料来源：Pharmaprojects

质：快速跟进渐进创新为主，同质创新现状有待突破

中国目前主要处于快速跟进的渐进式创新阶段。中国本土创新落后国际首创新药的上市时间在逐渐缩短，2020年相较于2015年的差距在代表性靶点上已缩短近一半时间（从8-10年缩短至4-6年）。但是全球首创新药数量仍然非常有限，2017-2020年中国上市的37个I类新药中，仅3个在作用机制上实现创新（目前尚未在美国上市）。

中国研发聚集于热门靶点现象明显，普遍存在同质化创新现象。以单抗药物为例，目前全球活跃在研单抗药物覆盖靶点共计约400个，中国药企研发管线覆盖仅为其中五分之一。围绕相对成熟“热门”靶点的研发在中国更加集中，如针对前十大靶点的在研单抗药物数量占比在全球为22%，在中国这一比例高达47%（图4）。究其原因，现阶段主要受到本土原创能力相对薄弱和资本投入风险偏好的制约；长期来看，随着中国本土研发创新能力的持续提升以及市场对于差异创新回报的显现，同质化创新的情况将会得到缓解。

图4：中国本土医药创新聚焦热门靶点的现象明显，创新差异化不足



1. 2020年11月统计，仅创新药物，不包括剂型创新或生物类似药

资料来源：Pharmaprojects

第六章

2021-2025年医药创新生态系统建设展望

中国科技发展指导思想从2016年的“三个面向”到2020年“四个面向”跨越。“面向人民生命健康”已上升到与“面向世界科技前沿”“面向经济主战场”“面向国家重大需求”同样高度。在错综复杂的国际环境和日益增长的国内经济发展与健康需求多重因素推动下，中国医药创新在社会经济发展中的战略性愈加显著。通过十几年来“创新驱动战略”的引领和各界持续努力，创新发展已成为全社会的高度共识。当前中国处于从医药制造大国迈向医药创新强国的重要历史节点，只有通过不断的制度创新，加大政府支持与投入才能激发科技工作者的创造力、提升产品全球竞争力和公众的信赖力。应当坚守保护和促进公众健康的庄严使命，按照前瞻性思考、全局性谋划、战略性布局、整体性推进的思路，运用系统性思维促进公众健康的体系化建设，推动医药创新与产业沿着科学化、法治化、国际化、现代化方向快速发展。

医药产业在全球范围内承载着前所未有的重任。疫苗和有效治疗药物的开发已成为重启经济关键点。中国成功研发新冠疫苗全球瞩目，世界正以新的视角看待中国崛起的医药创新实力。这必将进一步提升中国在国际医药创新领域的话语权，推动中国与国际科技交流合作，融入全球创新网络，使中国成为全球科技开放合作的舞台。以国内大循环为主体，以创新医药供给与医药内需市场匹配；同时医药创新成果惠及全球患者，创新药企走向全球是国际国内双循环相互促进新格局下的必然趋势。

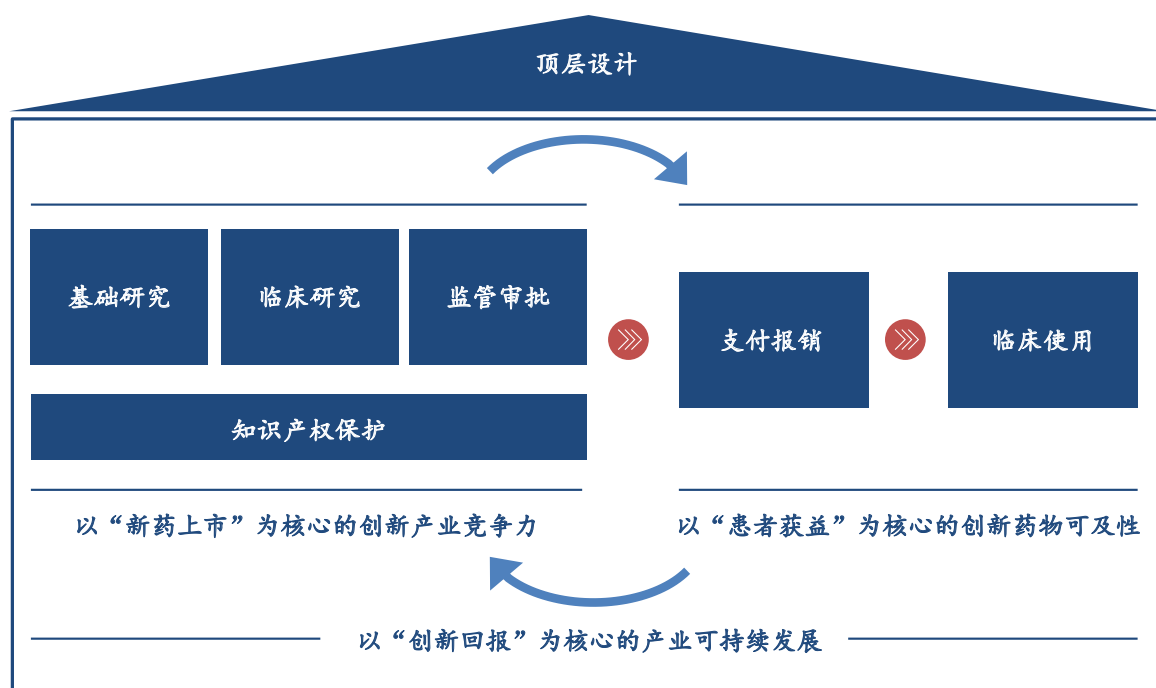
新冠疫情再一次印证了健康问题对于社会和经济巨大的影响。健康对于一个国家体系而言，不仅是一项成本和支出，而是一个重要的投资。更高的居民健康度可提高劳动效率、提升劳动参与、减少疾病状态和过早死亡，健康改善的结果不仅提升人民健康福祉，也将带来可观的经济效益。测算¹⁰显示健康状况改善有望将2040年的全球GDP拉升78万亿元，2040年的中国GDP拉升12万亿。2019年中国卫生总费用占GDP比重为6.6%，和高收入国家平均水平（8.2%¹¹）仍有差距，未来有进一步加大投资的提升空间。

在此背景下，未来五年中国医药创新生态系统的发展应聚焦三个关键点（图五）：一是增强以“新药上市”为核心的医药创新产业竞争力。通过更深层次改革、更高水平开放实现更高质量发展，从过去第三梯队的“跟跑”，到现今第二梯队“并跑”，向未来第一梯队的“领跑”进发。二是提高以“患者获益”为核心的创新药物可及性。加大卫生健康投入，并加强资金使用效率，以使用具有较高临床价值的创新药、加强疾病早期诊断及预防来实现更高的资金投入回报，减轻癌症、慢性病、传染病为主的巨大的疾病负担；三是确保以“创新回报”为核心的产业可持续发展。保证资本和药企的持续研发投入，以更多的突破性创新成果惠及患者。

¹⁰ 麦肯锡全球研究院报告《健康第一：通往繁荣的处方》

¹¹ 2016年数据；基于WHO2018年报告《Public Spending on Health: A Closer Look at Global Trend》

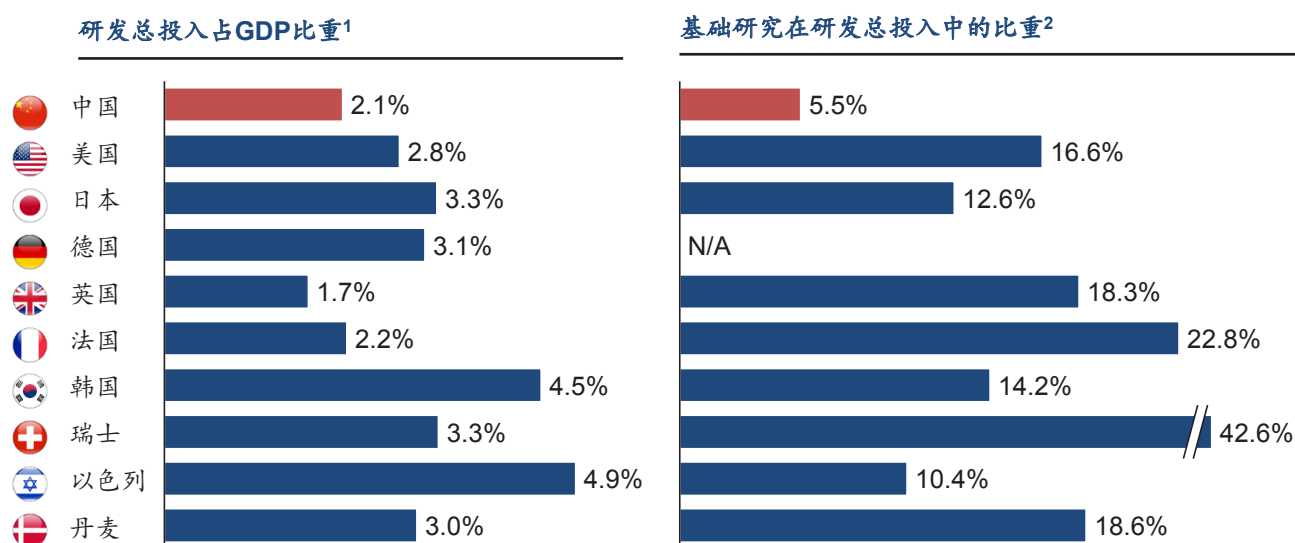
图5: 2021-2025年中国医药创新生态系统



增强以“新药上市”为核心的医药创新产业竞争力

强化基础研究体系：医药基础研究是各国高度重视的战略前沿方向，美、英、法、日、澳等发达国家纷纷制定生物医药或生命科学的国家战略，持续投入资金，建立研究统筹体系，加速抢占科技制高点。一方面，基础研究具备极大的开放性和不确定性，需要借助政府长期持续的科研经费支持。中国研发总体投入占GDP比重为2.1%，大体上与欧盟平均水平相当，距离美国2.8%的水平也相距不远。但是以其中的基础研究在研发总投入的比例来衡量，2020年中国达到6%，同美国和欧盟国家普遍在15%以上的水平还有明显差距（图6）。另一方面，发达国家均已具备生物医药研究管理与统筹体系，中国缺乏统一规划的集中管理架构以保证医学研究的先进性和高效性。以美国为例，美国国立卫生研究院（NIH）每年管理近400亿美金的资金，其中80%通过24个细分学科领域的研究所统筹资助院外研究机构，推动美国在医疗前沿研究。法国由国家健康与医学研究院（INSERM）牵头法国国家生命与健康科学联盟，通过协调研究方向、研究项目、经费资源，提高法国生命与健康科学研究的一致性、创造性、先进性。

图6: 中国研发总投入占GDP比重和发达国家可比, 但其中针对基础研究的投入力度有待加强



1. 2018年数据 (2017年为瑞士最新可用数据)

2. 2018年数据 (2015年和2017年为法国, 瑞士和丹麦最新可用数据)

资料来源: OECD

突破成果转化瓶颈: 尽管中国研究机构年发表高水平学术文章 (如《自然》、《科学》、《细胞》三大期刊) 数量已达到150篇, 但成功转化为研发管线资产乃至上市新药的成果仍有限。医药研发强国均认识到医药研发过程中临床实践的重要性, “从实验室到病床”的转化理念贯穿国家的产业发展。例如美国成立国家转化科学促进中心, 搭建基础医学到临床研究的转化桥梁, 并建设了遍布全美的学术医疗中心网络, 促进全国临床转化医学发展。中国创新质量导向和应用导向亟待强化, 急需专业化人才的培养和国际先进转化理念的接轨, 以真正实现基础研究对于原创新药开发的贡献。

加速应用新兴科技: 人工智能和大数据将有助于提升医药创新研发效率, 覆盖靶点发现、药物筛选、临床研究等多个环节。新兴技术的应用对于中国医药健康数据的完整性、连接性和质量提出了更高要求, 也有待制度层面的进一步改革突破。

完善监管审批制度: 深度参与全球药品监管双边和多边合作, 积极参加国际规范和标准的研究制定, 稳步推进ICH技术指南在中国实施和转化。在充分实施、全面实施、稳定实施的基础上, 持续推动监管理念、方法、标准与国际先进水平相协调, 促进监管信赖和互认以及国际接轨。强化和落实科学监管和基于风险的监管理念, 建立以大数据为依托的全流程药品质量监控体系。持续推动建立高效顺畅的审评审批管理流程和决策路径, 建立有效的沟通交流机制、及时的诉求反馈机制、公平的争议解决机制、定期的意见征集机制以及权威的效能评估机制; 进一步提升审评能力, 建立与中国创新快速发展相适应的用人机制, 健全药品审批风险控制体系, 使中国药品质量做到群众信任、国际认可。总结新冠全球防控经验, 设立单独的生物制品审评机构, 推动预防性和治疗性疫苗的研发。继续推动《药品审评质量管理规范》(GRP) 的制定实施。加强药品上市后再评价和药物警戒工作。提升监管体系的能力, 加强监管团队的精细化设置和专业化能力建设, 保障同行业沟通渠道的畅通, 提升社会共治的水平。

加强上市后监测和研究：鼓励和加强上市后四期临床以及真实世界数据研究，规范对新药在上市后临床应用“实证”的监测，以增强对创新药物安全性和有效性的把控，并加强用药指导。

加强知识产权保护：建立和完善药品知识产权保护法律体系，确保对新药的专利及试验数据在各部门、各环节得到切实的保护；明确“新药”定义，以使其与仿制药在临床试验、上市许可及使用条件上均有显著区分。

全面提升临床能力：首先需进一步提升国家临床研究体系，包括完善临床研究机构网络和落实临床研究鼓励机制。其次需确保临床研究主要相关方（包括临床研究申办方、研究机构、监管机构等）密切配合，提高方案设计水平和安全性、有效性评价能力，尤其是首次进入人体实验的创新药物；加强GCP实施全过程管理，提升风险管控能力；积极探索新兴科技在替代创伤性临床指标及主观性临床指标方面的应用，建立完善有效的伦理协作审查和中心审查制度。促进第三方服务机构的健康有序发展，规范合同研究组织（CRO）的管理，完善诚信体系建设，构建高水平、国际化的CRO集群。最后，从中长期体系建设的角度，需持续推动临床研究人才的培养和支撑方的能力提升。

深度挖掘中药价值：在新冠疫情防控过程中中医药展现出了积极的作用，中国药监部门也批准了几款中药用于新冠防治。但是在全球抗疫中中医药并未得到广泛认可和使用，主要原因在于缺少循证医学证据的支持，这也是阻碍中药价值提升和走向国际的主要原因。药监部门需要进一步明确循证医学在中药发展中的作用，通过提高标准和建立科学的循证体系，使更多的中药产品成为现代植物药或者天然药物并走向世界。

提高以“患者获益”为核心的创新药物可及性

医药创新对提升人民生命健康水平至关重要。未来十年，癌症和心脑血管疾病、糖尿病、呼吸系统疾病等慢病的疾病负担将愈发沉重；而新冠疫情的爆发，再次提醒我们传染病的威胁仍将长期存在。因此，提高癌症、慢性病、传染病这三大类疾病的防治将切实改善全民健康水平，也是创新药行业助力实现“健康中国2030”目标的重要切入点。

新药上市如果在临床上不能广泛惠及有需求的患者，便无法真正体现“人民至上、生命至上”的根本要求。在新药上市显著提速之后，确保创新药物更快地惠及更多患者、提高医疗效果是中国医药创新生态系统的当务之急、重中之重。

以创新药上市产品来衡量，中国与发达国家的差别不断缩小（以非小细胞肺癌为例，近年来在美国上市的靶向药物，大多已在中国注册上市）。但如果以患者获益和医疗效果来衡量，目前中国与美国等发达国家仍有较大差距（图7）。例如：尽管中国癌症五年生存率近十年来已从30.9%上升到40.5%¹²，但与美国66.9%的水平仍有很大距离。这个差距由多种原因造成，如中国主要高发癌种本身预后较差，中国癌症筛查和早诊早治覆盖人群还相对有限导致患者中晚期比例较高。造成差距的另一个关键原因是有更优临床疗效的创新药物虽然已经在中国上市，但由于支付、进院和临床诊疗水平等制约只惠及到部分患者，凸显出医药创新与支付报销、临床使用联动的重要性。目前中国对创新药上市对中国民众健康结果的影响和贡献（如癌症等重疾的生存率提高、死亡率降低、期望寿命延长等方面）的研究论证不足，未来用科学方法开展精准的研究评估会对创新药临床使用有很大的指导意义。

¹² 《中国居民营养与慢性病状况报告（2020年）》

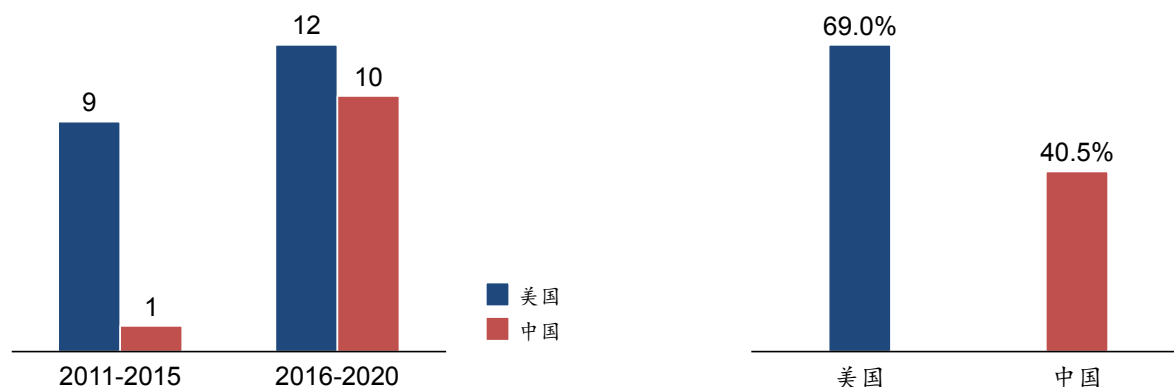
图7: 全球创新药在中国获批上市步伐不断加快, 临床使用的提升将有助于进一步改善患者获益

创新药上市情况

美国获批的创新药中国同期上市数量（非小细胞肺癌靶向药物为例）

患者获益情况

癌症患者5年生存率



资料来源：FDA; GBI; Cancer Statistics Review, 1975-2016 - SEER Statistics; Zeng H, Chen W, Zheng R, et al. Changing cancer survival in China during 2003–15: a pooled analysis of 17 population-based cancer registries[J]. The Lancet Global Health, 2018, 6(5): e555-e567.

完善基本医保药品目录机制：医保在过去五年取得诸多成就，但在一些关键方面仍有待提升。例如2016-2020年获批的创新药到目前为止仍有一半未能进入医保药品目录。未来可在几个方面着力改进：一是通过提升统筹层次、建立国家调剂基金、稳步提升居民医保筹资水平、加强门诊保障力度等，逐步缩小区域间、职工居民间的筹资及待遇差距；二是考虑提升医保目录纳入药品的年治疗费用上限；三是进一步提升价格测算和医保支付标准制定框架、方法的科学性与透明性，加大药物创新性在评估中的权重和地位；四是探索诸如风险共担的创新支付方式，进一步完善某些谈判药品的价格保密措施；五是针对肿瘤药物、罕见病用药，探索包括建立特定基金等方式在内的用药保障机制。

发挥商业保险重要作用：作为多层次医疗保障体系的重要组成部分，商业健康险在我国仍处于初级发展阶段。商业健康险人群总体渗透率仅约四分之一¹³；从结构上来看，2019年7066亿元的健康险原保费收入中仅35%来自于报销型的医疗险。行业发展面临公众认知不足、产品同质化严重、风险与成本管控能力有待提升等问题。为了进一步促进商业健康险行业的发展，早日实现政府制定的到2025年达到2万亿元保费收入的发展目标，可以考虑统一商业健康险行业标准，厘清基本医疗保险和商业健康险之间的界线；建立数据基础，促进健康大数据合法、合规使用，助力健康险公司提升精算和产品设计创新能力等。

促进创新药物临床使用：进一步理顺从新药上市到药品临床使用的中间环节，大力简化创新药品进院流程，优化药占比、处方金额限制等措施，拓展DTP药房渠道；提升诊断水平、医生能力、患者依从性，确保患者最大程度享受医疗技术进步带来的红利，提升患者获得感。创新药行业也应继续立足于疾病领域的专业经验，助力诊疗水平的提升，并践行“以患者为中心”的价值观，为患者打造端到端的解决方案。

¹³ 2017年中国发展研究基金会《中国商业健康保险研究》

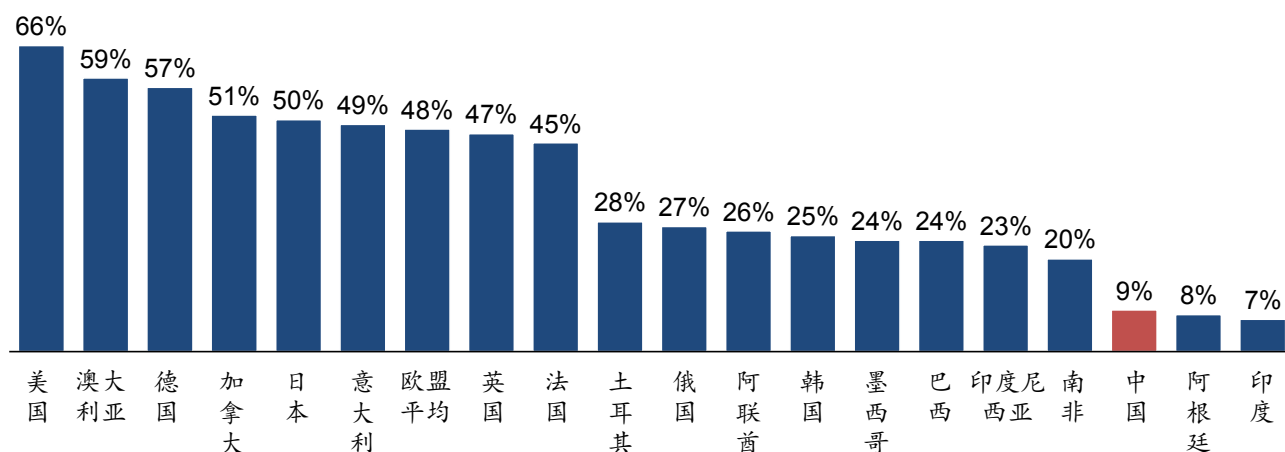
确保以“创新回报”为核心的产业可持续发展

过去五年大量资本进入创新医药产业，巨大的投入推动了创新药的研发上市。随着创新产品陆续获批上市，是否能够获得合理的创新回报（包括定价和支付报销）的重要性正在凸显出来。

目前中国创新药市场规模有限，创新药占总体医药市场的份额与经济发展水平及创新药发展目标不匹配。2018年G20国家医药市场数据显示创新药的份额在美国为66%，澳大利亚59%，德国57%，而中国只有9%，排在第18名（图8）。

图8：中国创新药市场份额与经济发展水平及创新药发展目标不匹配

创新药¹占处方药市场份额（2018）



1. 专利期内的原研药

资料来源：IQVIA

加大对创新药品的支付，激励企业持续研发投入：医药产业投资大、周期长、风险高。而人类与疾病攻克疾病的挑战唯有通过创新，提供突破性的预防、诊断和治疗方法。因此给予创新药合理的溢价，让创新医药产业能获得合理回报，从而鼓励创新产业持续地保持高投入到药品的研发中，最终惠及中国及全球人民，是发展中国成为全球医药创新高地的必要条件。

在过去五年里，中国凭借创新生态系统的先进理念、自上而下大力推动的顶层设计、公平竞争且高度融合的创新企业，建立起了一个充满生命力的医药创新产业。展望未来五年，通过加强基础研究投入和能力，提升转化能力，可释放出更持久和更具有突破性的创新潜力，可帮助更多的中国创新惠及患者；通过优化完善监管审批、临床研究的政策机制，可进一步提升研发的效率和质量及与国际标准的融合；通过加强医药创新和支付报销、临床使用的三医联动，真正提高人民的健康福祉，同时确保创新药产业获得合理回报，可以对创新持续投入。更具全球竞争力的医药创新产业将推动中国经济的可持续发展，并助力实现构建“人类卫生健康共同体”的宏伟目标。

